
儿童肉瘤治疗难题，安罗替尼如何“破局”？

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/34285.html>

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

儿童肉瘤治疗难题，安罗替尼如何“破局”？。近日，中山大学肿瘤防治中心教授张翼鹭团队首次在儿童肿瘤患者中探索安罗替尼的安全性、药代动力学特征、药物暴露量与不良反应的关联性、II期推荐剂量和初步疗效，为儿童肉瘤患者应用安罗替尼提供了科学依据。相关成果发表于《电子临床医学》（eClinical Medicine）。

儿童实体肿瘤临床研究难点重重，肿瘤类型复杂多样，发病率低致样本量小，且涉及特殊伦理问题，药物研发相对成人滞后、资源有限。儿童肉瘤作为儿童常见的恶性实体肿瘤，其高危、复发或难治患者的预后较差，5年生存率仅为15%-50%。

与此同时，新型靶向药物在儿童群体中的应用数据严重不足，例如多靶点酪氨酸激酶抑制剂安罗替尼，尽管在成人实体瘤治疗中展现出显著疗效，但其在儿童患者中的安全性、推荐剂量、药代动力学特征及疗效一直缺乏系统性研究，导致临床医生在面对儿童患者时面临无循证学可依、无精准剂量可用的困境。

在此背景下，张翼鹭团队开展了一项开放、单中心、单臂的Ia/Ib期研究，共纳入34例5-18岁高危/复发/难治性儿童肉瘤患者。研究结果显示，最常见的不良事件为甲状腺功能减退（58.8%）、腹泻（41.2%）和腹痛（38.2%），未观察到4级不良事件或治疗相关死亡。腹痛的发生率随稳态谷浓度（ $P=0.04$ ）和稳态药时曲线下面积（ $P=0.04$ ）的升高而增加。安罗替尼的最大耐受剂量为：5-18岁儿童患者中，体重 < 35 kg的患者为8 mg，体重 ≥ 35 kg的患者为12 mg。

在13例无可评估病灶作为维持治疗的患者中，2例复发，11例无复发生存。安罗替尼单药治疗复发难治肉瘤患者时，疗效相对有限。然而，在维持治疗组中，2年无进展生存期达84.6%，2年总生存期达92.3%。

该研究为儿童肿瘤患者应用安罗替尼的剂量提供了循证学证据，证明安罗替尼在儿童高危复发难治肉瘤患者中安全性良好。尽管样本量有限，但初步数据显示安罗替尼作为维持治疗在高危或复发后达到完全缓解的患者中具有生存获益。

目前，张翼鹭正在开展贝莫苏单抗单药或联合安罗替尼治疗进展复发难治性儿童罕见肿瘤的I/II期临床研究，以进一步验证靶向治疗、免疫治疗在儿童实体肿瘤中的疗效。（来源：中国科学报 朱汉斌）

相关论文信息：<https://doi.org/10.1016/j.eclinm.2025.103258>

作者：张翼鹭等 来源：《电子临床医学》

更多 科学进展 请访问 <https://www.iikx.com/news/progress/>

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，[爱科学iikx.com](http://www.iikx.com)转发